

Programa	Promotor	Designação	Localização ensaio	Modo de Administração	Fase de Desenvolvimento	Observações	+ Informação
Terapia de substituição enzimática	Allievex (ex programa da Biomarín) : >0 aos 18 anos	Ensaio para tipo B utilizando Tralesinidase Alfa - Fase I/II. <b>AX250</b>	Colombia, Alemanha, Espanha, Taiwan, Turquia, EUA e Reino Unido	Administração semanal diretamente no líquido cefalorraquidiano (LCR) do cérebro, através de um catéter implantado sob o couro cabeludo.	Ativo, Recrutamento concluído	O ensaio da fase I/II envolve uma terapia de substituição enzimática para Sanfilippo tipo B chamada Tralesinidase Alfa, administrada semanalmente no CSF através de um cateter. 22 doentes de Sanfilippo foram tratados até à data. Os níveis de sulfato de heparano diminuíram, e a estabilização ou melhoria do desenvolvimento cognitivo tem sido observada em crianças mais novas. Os efeitos secundários foram relacionados com o modo de administração da terapia.	<a href="#">NCT02754076</a>
Medicamento antiinflamatório (já aprovado para a artrite reumatóide)	Lundquist Institute for Biomedical Innovation: > 4 anos	Medicamento Anakinra (para todos os tipos 4 de Sanfilippo) - Fase II/III.	EUA	Injeção subcutânea de medicamento, uma vez por dia	Ativo, Recrutamento concluído	O ensaio da fase I/II envolve a injeção subcutânea do medicamento anti-inflamatório Anakinra uma vez por dia. Recrutamento e análise de dados estão em curso. Algumas melhorias de sintomas têm sido sugeridos pelos pais.	<a href="#">NCT04018755</a>
Terapia de substituição enzimática	JCR Pharmaceuticals	Terapia enzimática de substituição - Planeado	Pendente	Pendente	Pendente	A empresa japonesa JCR Pharmaceuticals tem planos para preparar um ensaio clínico global, potencialmente a partir de 2023, com JR-446 em pacientes com Sanfilippo tipo B. JR-446 é uma terapia de substituição enzimática (ERT) que foi concebida para atravessar a barreira hemato-encefálica para entregar a enzima ao cérebro e pode ser administrada por via intravenosa, potencialmente tratando mais eficazmente os sintomas neurológicos do Sanfilippo com menos efeitos secundários. Dados de modelos animais Sanfilippo mostraram que a injeção intravenosa de JR-441 aumentou níveis de enzimas no cérebro e reduziu o sulfato de heparano a níveis quase normais. Um medicamento semelhante, JR-141, está agora aprovado no Japão para tratar a Síndrome de Hunter, uma forma de mucopolissacaridose (MPS) como Sanfilippo.	
Terapia de substituição enzimática	Denali Therapeutics	Terapia enzimática de substituição - Planeado	Pendente	Pendente	Pendente	Denali Therapeutics tem uma terapia de substituição enzimática para Sanfilippo tipo B em preparação e planeia preparar-se para um ensaio clínico no futuro. A sua tecnologia ERT, que também está para Sanfilippo tipo A, foi concebida para atravessar a barreira hemato-encefálica para entregar a enzima ao cérebro e pode ser entregue por via intravenosa, potencialmente tratando os sintomas neurológicos do Sanfilippo de forma mais eficaz.	